



Laboratorio de Terapia Genética y Celular Avanzada



ROYAL HOLLOWAY UNIVERSITY OF LONDON



RARE DISEASE DAY 2017
28 FEBRUARY



Advanced Gene and Cell Therapy laboratory (AGCTlab) Royal Holloway, University of London

Prof Rafael J. Yáñez-Muñoz
Catedrático de Terapia Avanzada
Laboratorio de Terapia Genética y Celular Avanzada
Director de Planificación y Recursos
School of Biological Sciences
Royal Holloway, Universidad de Londres
Egham
Surrey TW20 0EX
UK
Tel: +44(0) 1784 443180
Fax: +44(0) 1784 414224
Correo-e: rafael.yanez@royalholloway.ac.uk

Sumario de nuestros intereses (técnico)

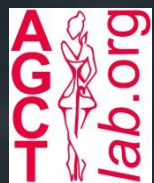
Nuestro laboratorio trabaja en terapia genética y celular para las enfermedades neurodegenerativas y hereditarias, usando principalmente **nuevos vectores lentivíricos no integrativos, células madre y edición genómica**. La mayoría de estas enfermedades son raras (afectan como mucho a una persona de cada 2.000). Estamos particularmente interesados en **la atrofia muscular espinal, la ataxia telangiectasia, los traumatismos de la médula espinal y la enfermedad de Parkinson**. Usamos la **edición genómica** (introducción de cambios específicos en el ADN genómico) en enfermedades monogénicas, especialmente las **inmunodeficiencias primarias, la ataxia telangiectasia y la distrofia muscular de Duchenne**. Hemos patentado un método para convertir los **episomas lentivíricos en moléculas replicativas** de mayor utilidad. Para más detalles por favor consulte la **versión inglesa** de nuestra página. También desarrollamos una actividad divulgativa, principalmente coordinando un acto anual en el Reino Unido el día de las enfermedades raras (RDD@RHUL). El Prof Yáñez también es el editor en jefe de la revista Gene Therapy, tesorero de la British Society for Gene and Cell Therapy y miembro del consejo de administración de la Genetic Alliance UK.

Versión española abreviada (para no especialistas)

La medicina tiene poco que ofrecer frente a algunas enfermedades, particularmente las degenerativas del sistema nervioso y las enfermedades genéticas (que se transmiten de padres a hijos), la mayoría de las cuales son enfermedades raras. La terapia genética y celular es un campo relativamente nuevo de la investigación biomédica que intenta cubrir esta deficiencia mediante el desarrollo de un nuevo tipo de fármacos basados en los ácidos nucleicos (el ADN, el ARN y otros derivados artificiales). El concepto se basa en que es posible manipular la actividad de nuestros genes (o los genes de los organismos que nos infectan) usando ácidos nucleicos diseñados artificialmente, modificando nuestras células con el objetivo de curar, mejorar o ralentizar las enfermedades. Las células que componen nuestros cuerpos impiden la entrada de los ácidos nucleicos del exterior, por lo cual los científicos han de buscar maneras eficaces de introducirlos. Los virus lo hacen muy bien, por lo cual hemos aprendido a construir virus de diseño quitándoles los genes patogénicos (que causan enfermedades) y reemplazándolos por genes curativos.

Hay muchos tipos distintos de virus de diseño (vectores víricos). Nosotros trabajamos principalmente con vectores derivados del virus del SIDA. Además de quitarle los genes patogénicos (que causan la enfermedad) al virus, hacemos nuestros vectores todavía más seguros impidiéndoles que se integren en el genoma. Esto previene posibles efectos negativos, que podrían causar cáncer. Estamos usando estos vectores para desarrollar nuevas terapias para las enfermedades raras atrofia muscular espinal (una enfermedad genética degenerativa que afecta a unas neuronas de la médula espinal; para más información visite [FundAme](#)), las lesiones de la médula espinal, y la más frecuente enfermedad de Parkinson (un trastorno degenerativo en el que mueren ciertas neuronas cerebrales). Para estas enfermedades estamos usando los vectores lentivíricos no integrativos con objeto de introducir genes que podrían ser curativos. Sin embargo, para muchas enfermedades genéticas el tratamiento ideal sería la reparación del gen afectado, lo cual se puede lograr mediante la edición genómica (cuyos inventores fueron galardonados con el **Premio Nobel en Fisiología o Medicina en 2007**). Por ello también estamos usando los vectores víricos para reparar el gen de la ataxia telangiectasia (una enfermedad degenerativa del sistema nervioso y la sangre; vea [Aefat](#)), y el gen que cause la distrofia muscular de Duchenne (una enfermedad neuromuscular degenerativa que afecta primero a la movilidad y después a la respiración y al corazón, vea [DPPE](#)).

Para más información por favor visite los siguientes enlaces (en inglés):



Laboratorio de Terapia Genética
y Celular Avanzada



ROYAL
HOLLOWAY
UNIVERSITY
OF LONDON

**Advanced Gene and Cell Therapy *laboratory* (AGCTlab)
Royal Holloway, University of London**

Prof Rafael J. Yáñez-Muñoz
Catedrático de Terapia Avanzada
Laboratorio de Terapia Genética y Celular Avanzada
Director de Planificación y Recursos
School of Biological Sciences
Royal Holloway, Universidad de Londres
Egham
Surrey TW20 0EX
UK
Tel: +44(0) 1784 443180
Fax: +44(0) 1784 414224
Correo-e: rafael.yanez@royalholloway.ac.uk

Royal Holloway (en inglés)



Ciencias Biológicas en Royal Holloway (en inglés)



Publicaciones (PubMed, en inglés)



¡Trabaja con nosotros! (en inglés) Doctorado



Postdocs



Webpage (página completa de nuestro *AGCTlab*, técnica, en inglés)

